

L'intégration de la voix du patient
Maladie de Gaucher :
journée d'information pour les patients

**Questions autour de l'engagement des associations de
malades dans les maladies rares :
pourquoi et comment ?**

Quel rôle dans l'évaluation du médicament ?

Anne-Sophie Lapointe (PhD)

VML / Alliance maladies Rares / Eurordis / Eupati

3 février 2017,



- **ANNE-SOPHIE LAPOINTE (PhD)**



☑ Je déclare les liens d'intérêt potentiel suivants :

➤ Présidente de Vaincre les Maladies Lysosomales (VML), filière G2M

➤ Membre du Comité d'Éthique de l'INSERM

➤ Membre du Conseil d'Administration de l'Alliance Maladies Rares, du board d'EURORDIS, membre Eupati France et du Codeem (Comité de déontovigilance du Leem)



➤ Un frère.....PU-PH

➤ UNE HISTOIRE...Ma famille, ma recherche...

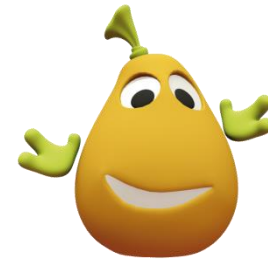


➤ Chargée de mission filière AnDDI-Rares

(Pr. Laurence Faivre)

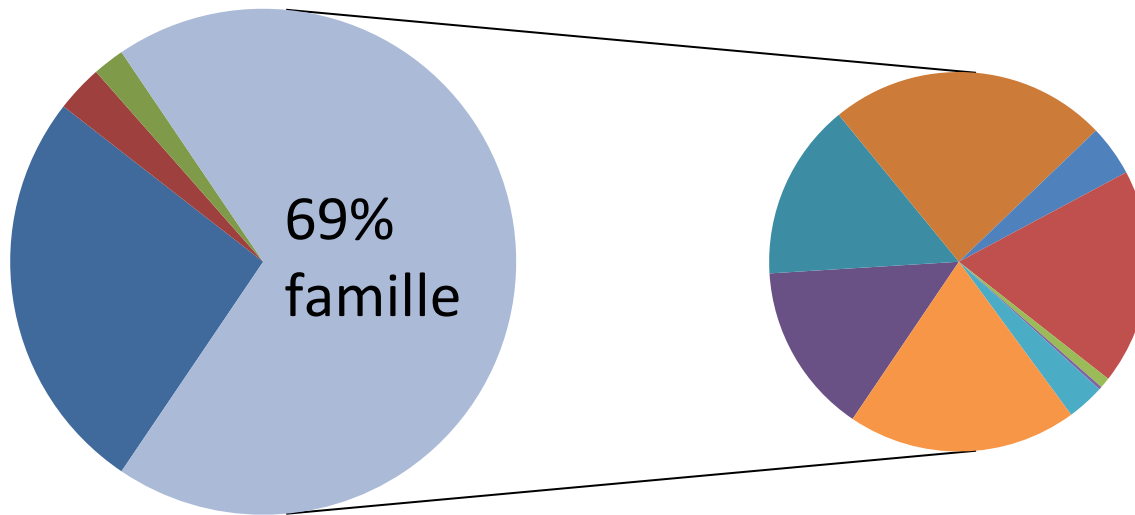
VML : ?

- Création le 16 mai 1990
- Mission d'aide et de soutien aux malades et/ou à leur famille
- Mission de promotion de la recherche médicale et scientifique
- Sensibilisation aux maladies rares, lysosomales, et aux besoins des malades
- Association : Conseil d'Administration
- 6 salariés
- Reconnaissance d'Utilité Publique, agréments IDEAS + Comité de la Charte : Transparence des liens d'intérêt

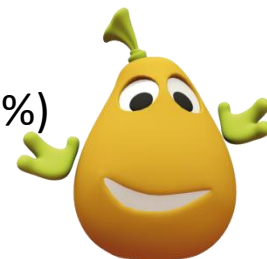


Qui adhère à VML ?

Adhérents (> 1000)



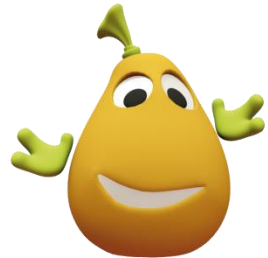
- Non Renseigné (26%)
- Bénévoles (3%)
- Professionnel de Santé (2%)
- Malades (15%)
- Parents d'adulte malade (15%)
- Parents d'enfant malade (24%)
- Parents d'adulte dcd (4%)
- Parents d'enfant dcd (18%)
- Conjoints d'adulte malade (1%)
- Conjoints d'adulte dcd
- Fratrie (3%)
- Cercle familial (20%)



Pourquoi ?

Hétérogénéité des raisons qui reflète celle des adhérents et celle des maladies lysosomales....

- Accompagnement autour de problématiques /questionnements
 - **Sociale** : scolarisation, aménagement, droits sociaux, emploi, emprunt...
 - **Médicale** : information sur la pathologie, orientation, génétique, prise en charge, évolution...
 - **Recherche** : financement, traitements, ne pas être « abandonné »
- Recherche de soutien psychologique : échanger entre familles/malades, séjours de répit, week-end « panser le deuil »...
- Engagement, combat



Particularités des Maladies Rares

- Errance de diagnostic : difficultés recrutements pour les essais cliniques, des maladies rares aux ultra-rares
- Information limitée : information complexe à donner, manque de connaissances (histoire naturelle de la maladie) et de données (data) réduites
 - Croisement entre le soin et la recherche
 - Dispersion géographique
- Manque de financement : manque de recherche, environ 5% de traitements pour 7000 maladies rares

Contexte

Les Mouvements Associatifs dans les Maladies Rares :
Aider et être acteur de sa maladie
Soutenir le développement de la recherche

➤ Genèse du mouvement maladies rares



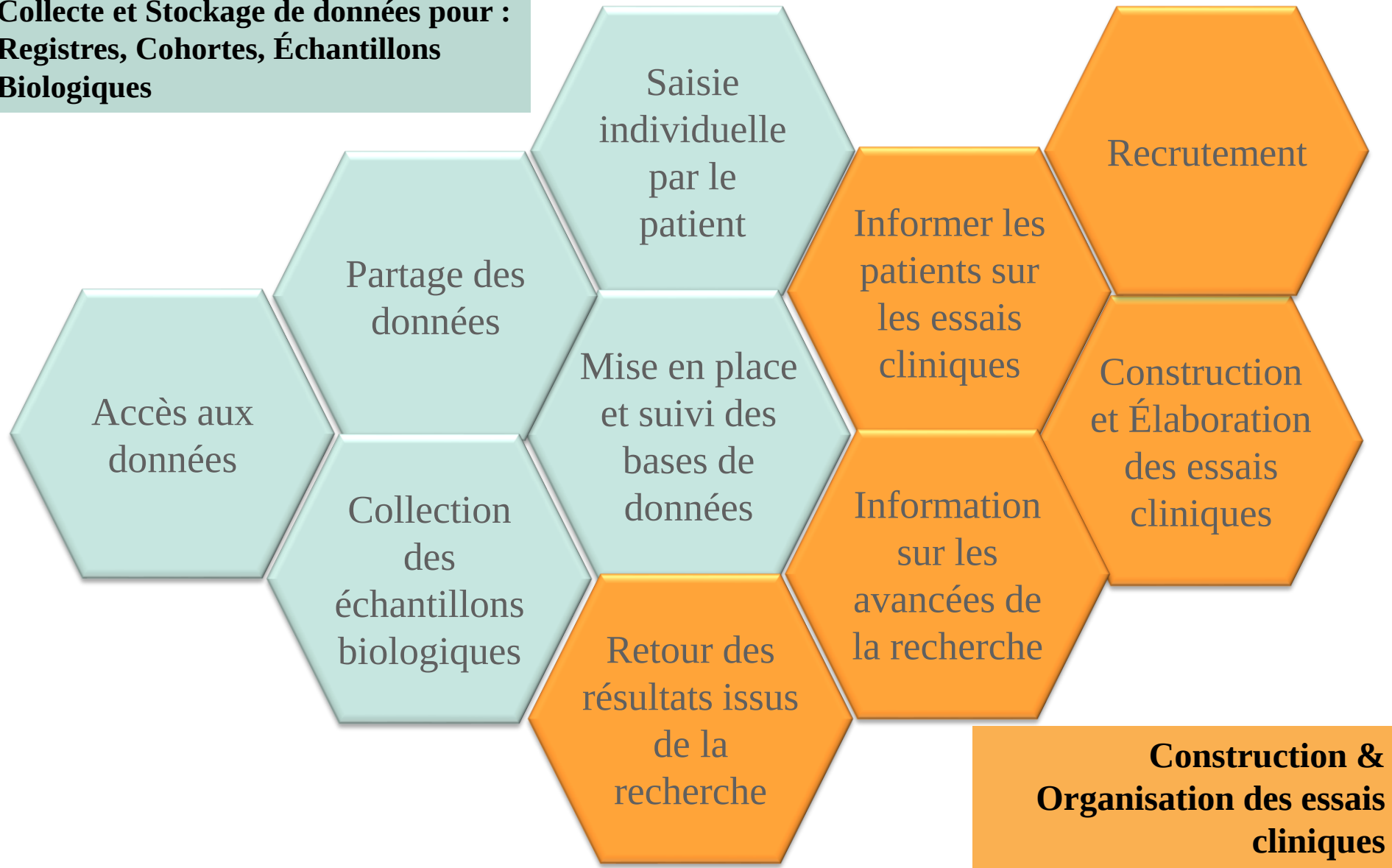
➤ Le Règlement Européen sur le Médicament Orphelin

➤ La France : PNMR1 & PNMR2 & PNMR3

Maladies rares et Bases de données

Un cadre très large entre recherche et soin

**Collecte et Stockage de données pour :
Registres, Cohortes, Échantillons
Biologiques**



Résultats des deux études

Profils des répondants

LeukoTreat

Malades & Proches

46 malades
149
proches

195
réponses

PARME

Associations

200
associations

91
réponses

Investigateurs

131 centres
de
référence

63
réponses

Promoteurs

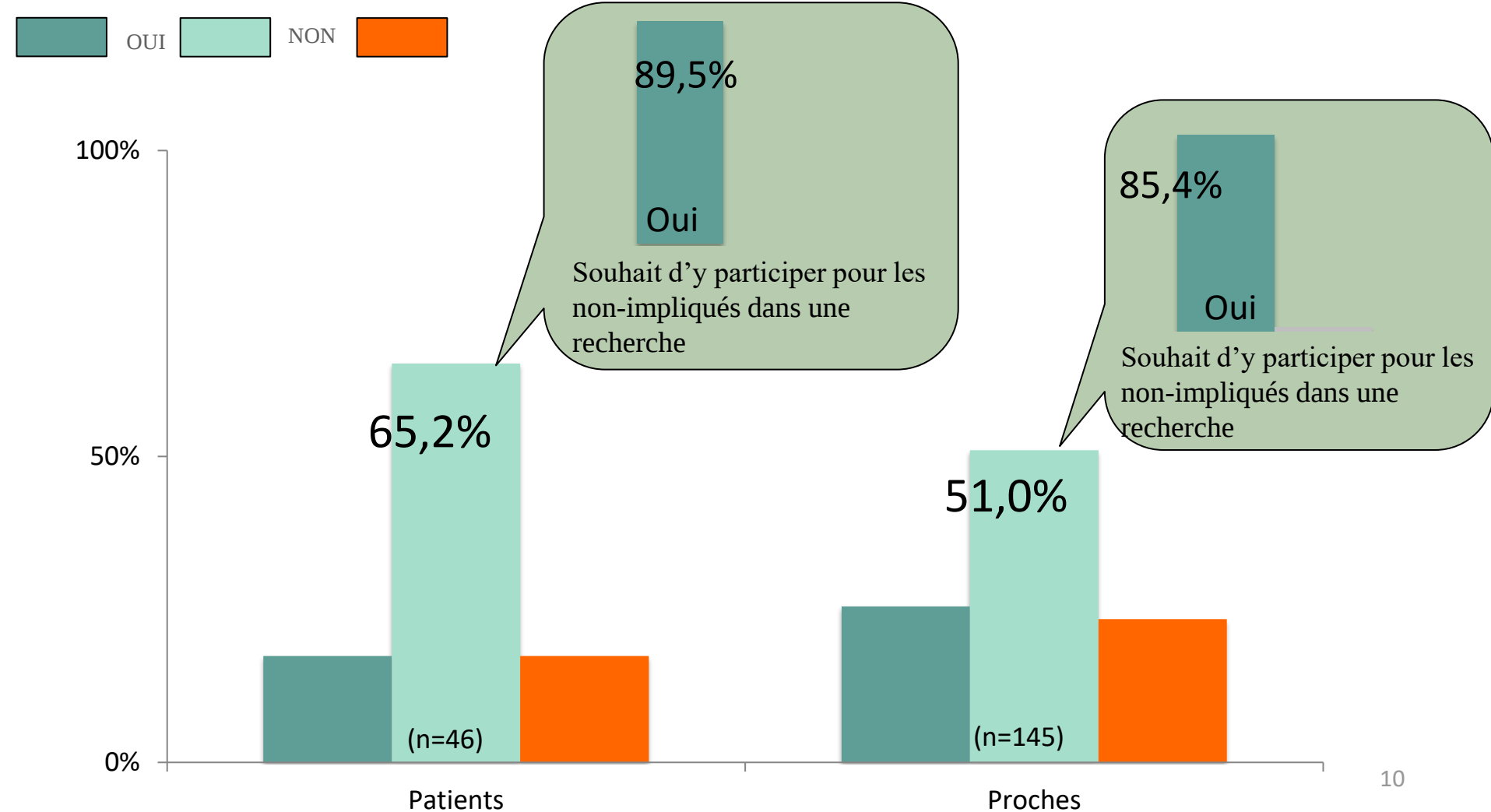
24

20
réponses

Motivation forte des patients à partager leurs données dans le cadre de projets de recherche

Participation actuelle à une recherche :

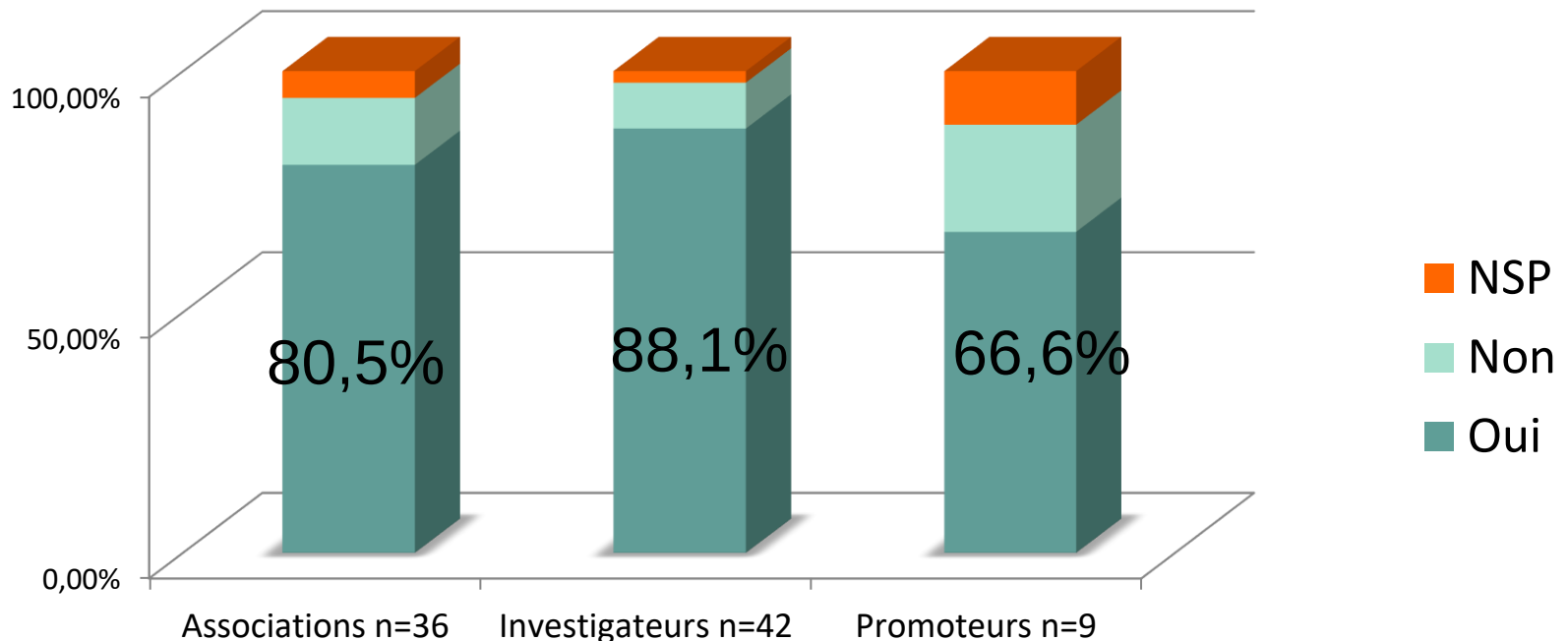
NSP



Résultats

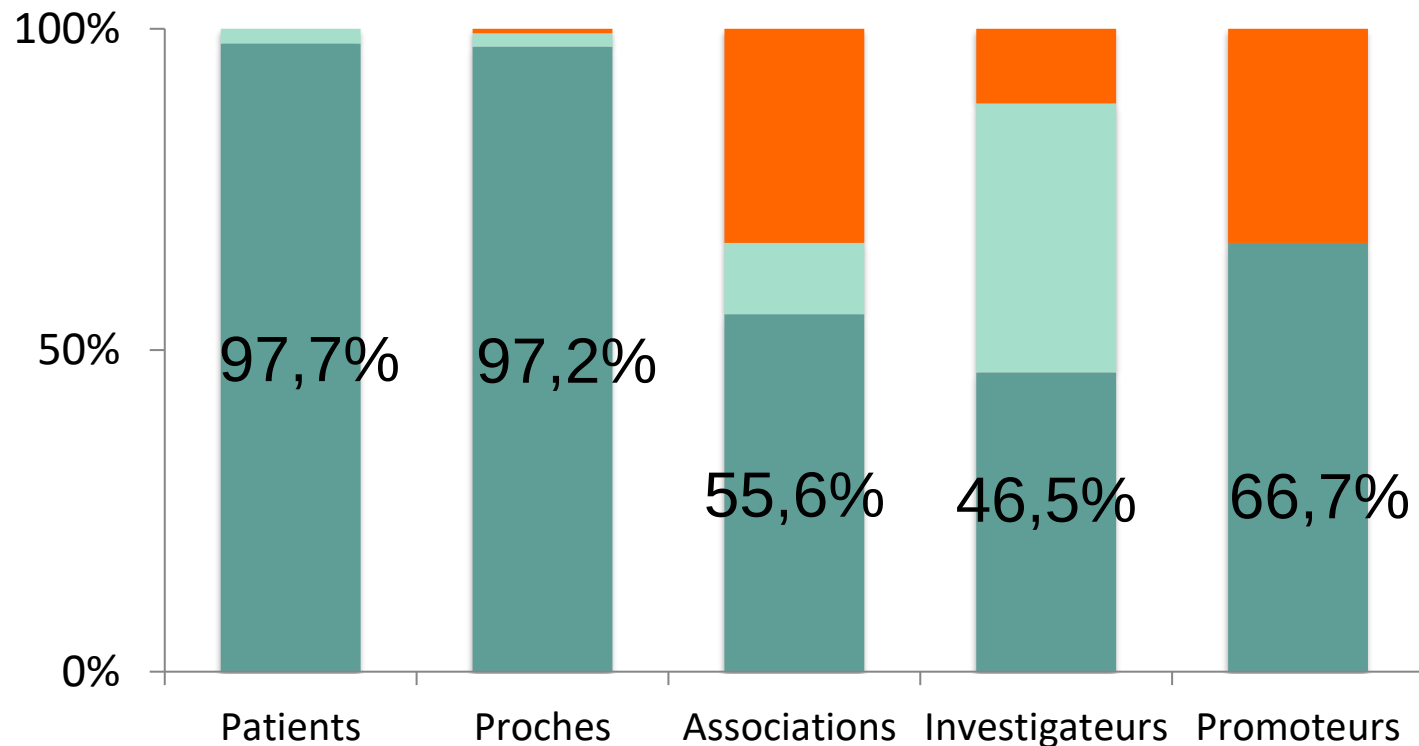
Construction et organisation des essais cliniques

Pensez-vous que l'association peut aider pour le recrutement à des essais cliniques ?



Collecte et stockage de données : Saisie individuelle par le patient

Pensez-vous que cela améliore la recherche que les données soient saisies directement par les personnes malades ou leurs proches ?

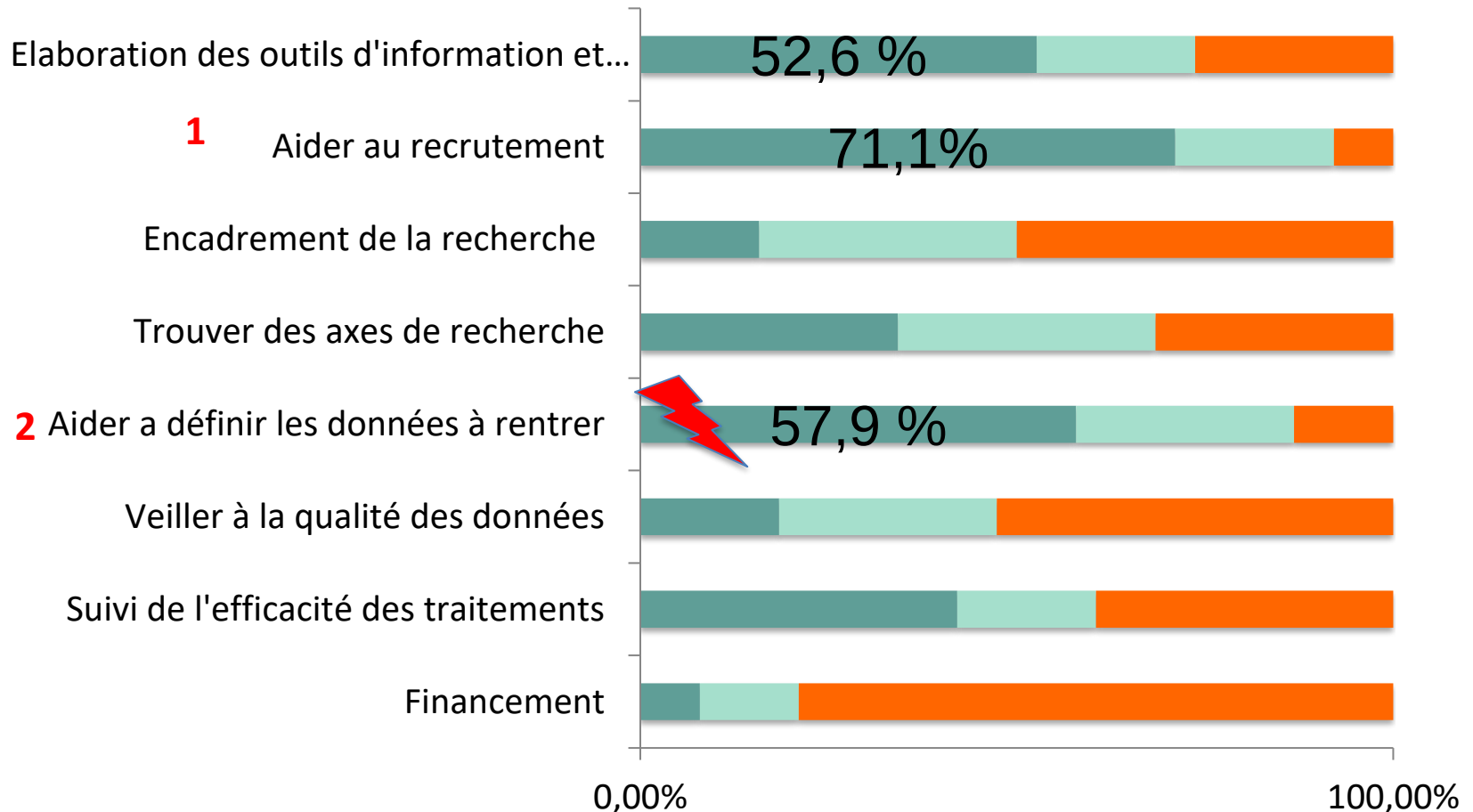


Résultats

Collecte et stockage de données : Rôle des associations

Associations de patients

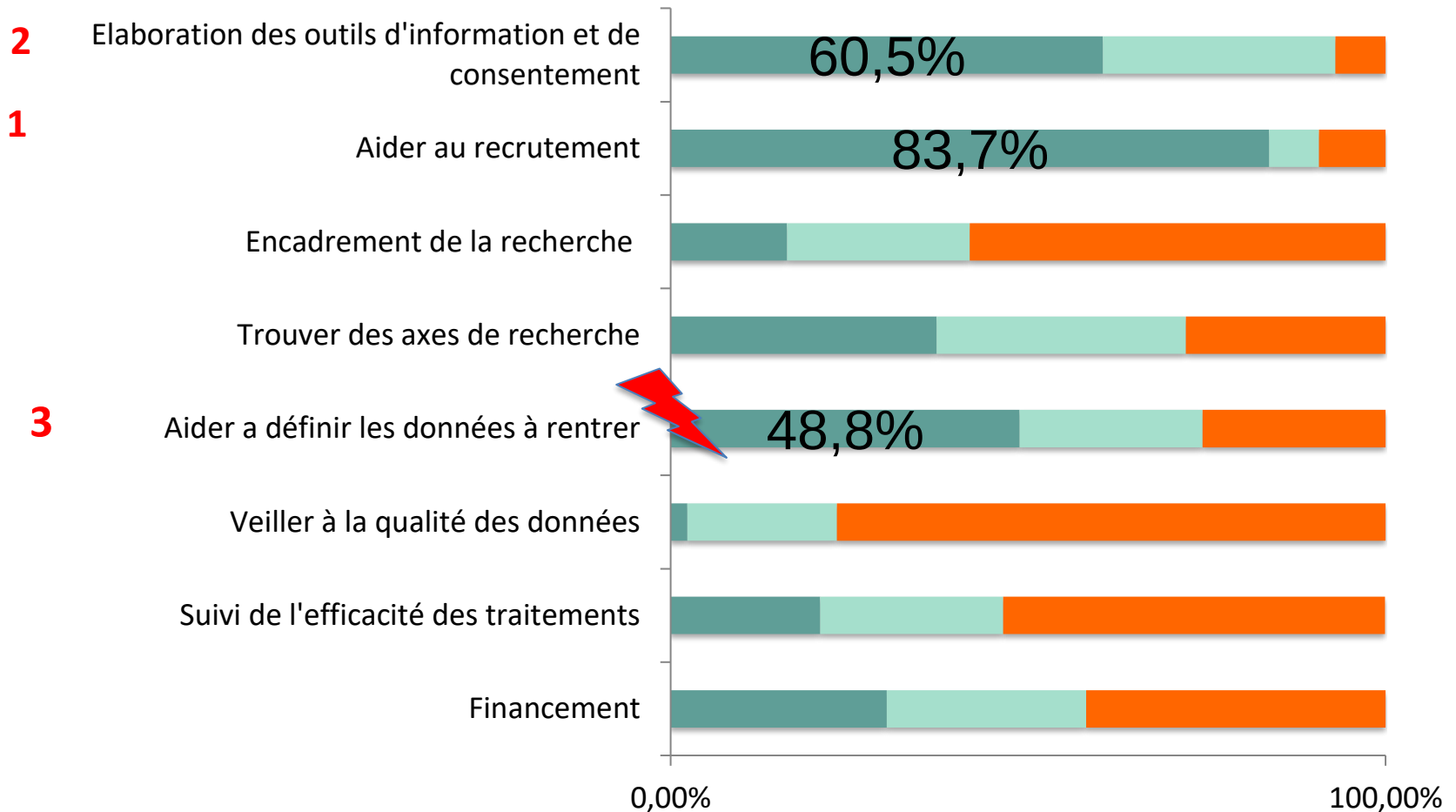
3



Résultats

Collecte et Stockage de données : Rôle des associations

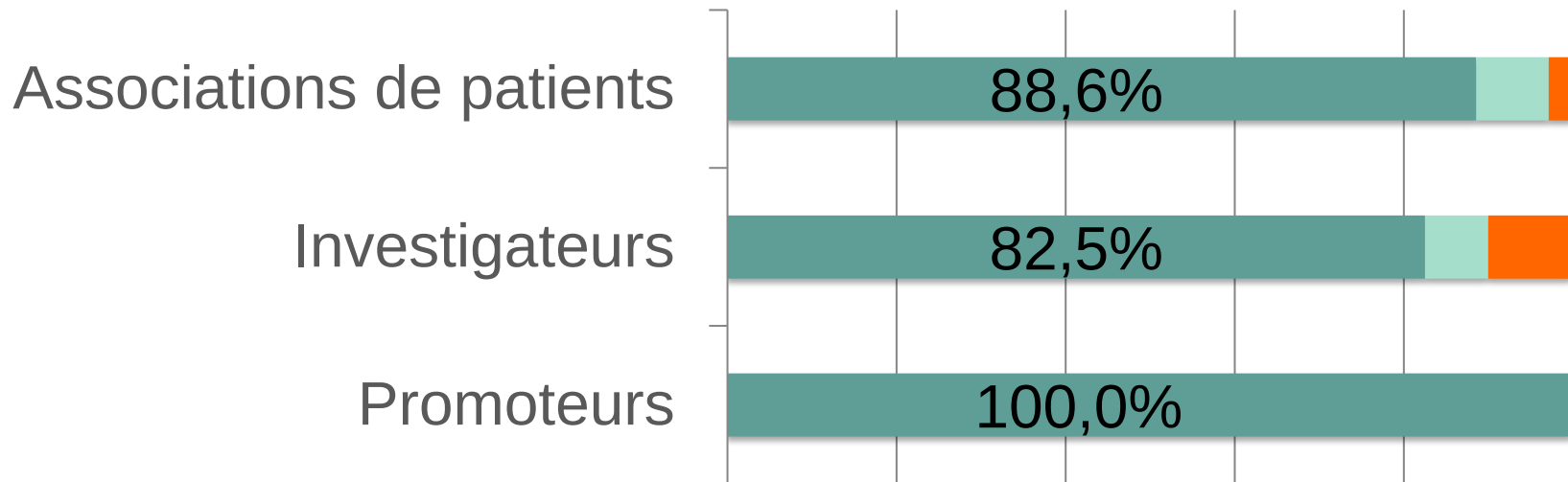
Investigateurs



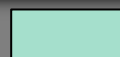
Résultats

Collecte et stockage de données : Avantage de la saisie individuelle par informatique

- Mieux évaluer la qualité de vie du malade



Le plus important, très important, important



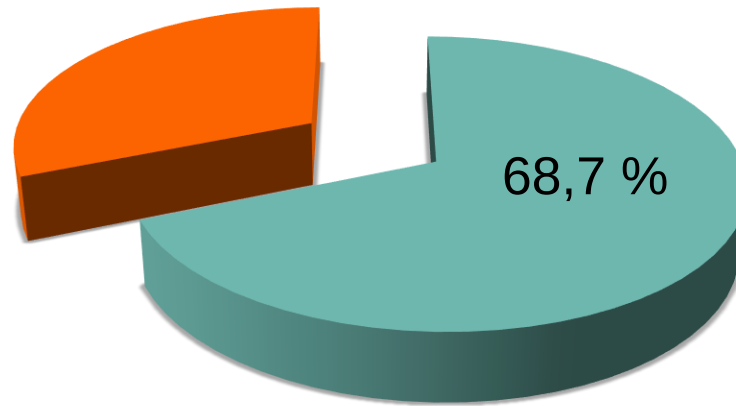
Moyennement important



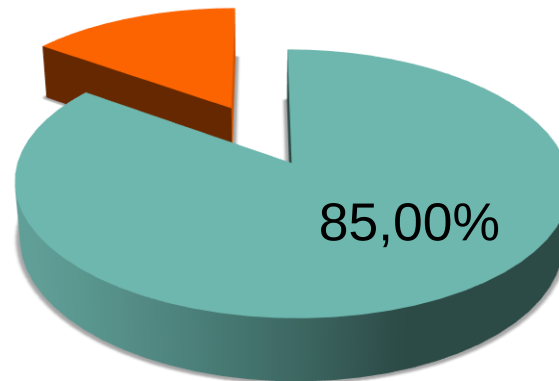
Moins important, peu et pas important

Financement & Collaboration

Votre association finance -t-elle des travaux de recherche ?



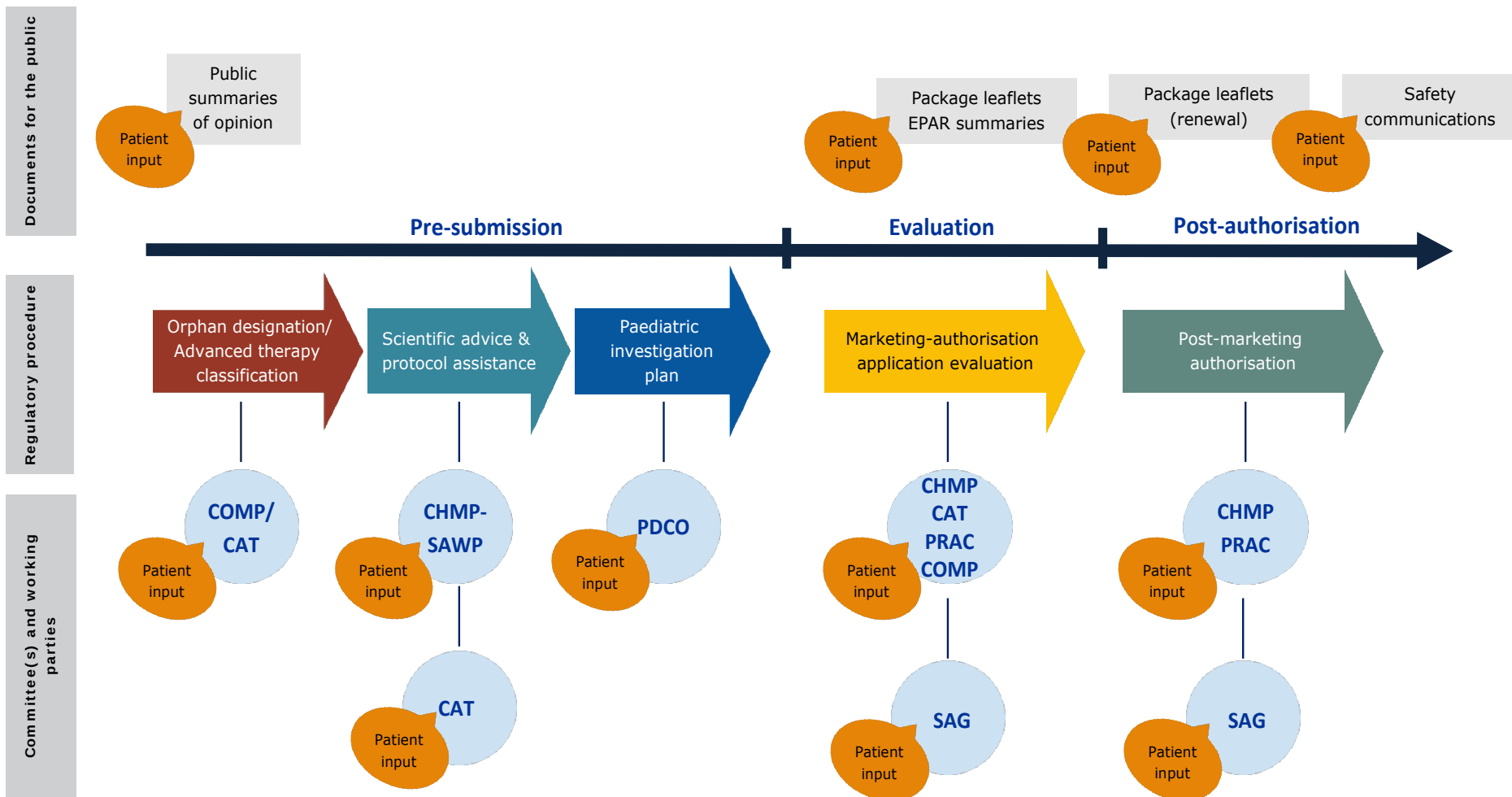
Votre entreprise finance-t-elle aujourd'hui des projets de recherche public-privé dans le domaine des maladies rares?

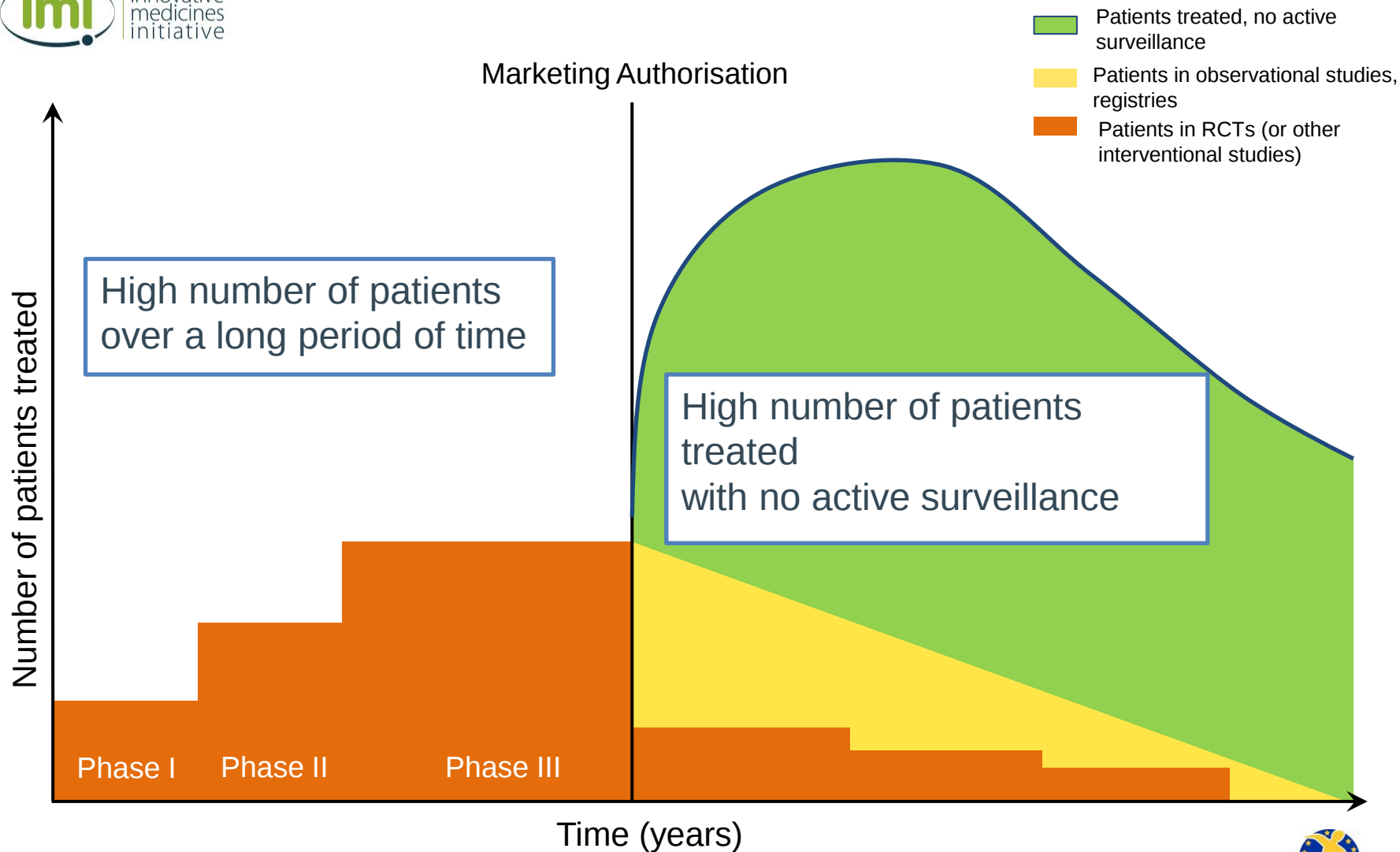






Overview of patient involvement along the medicines lifecycle at EMA

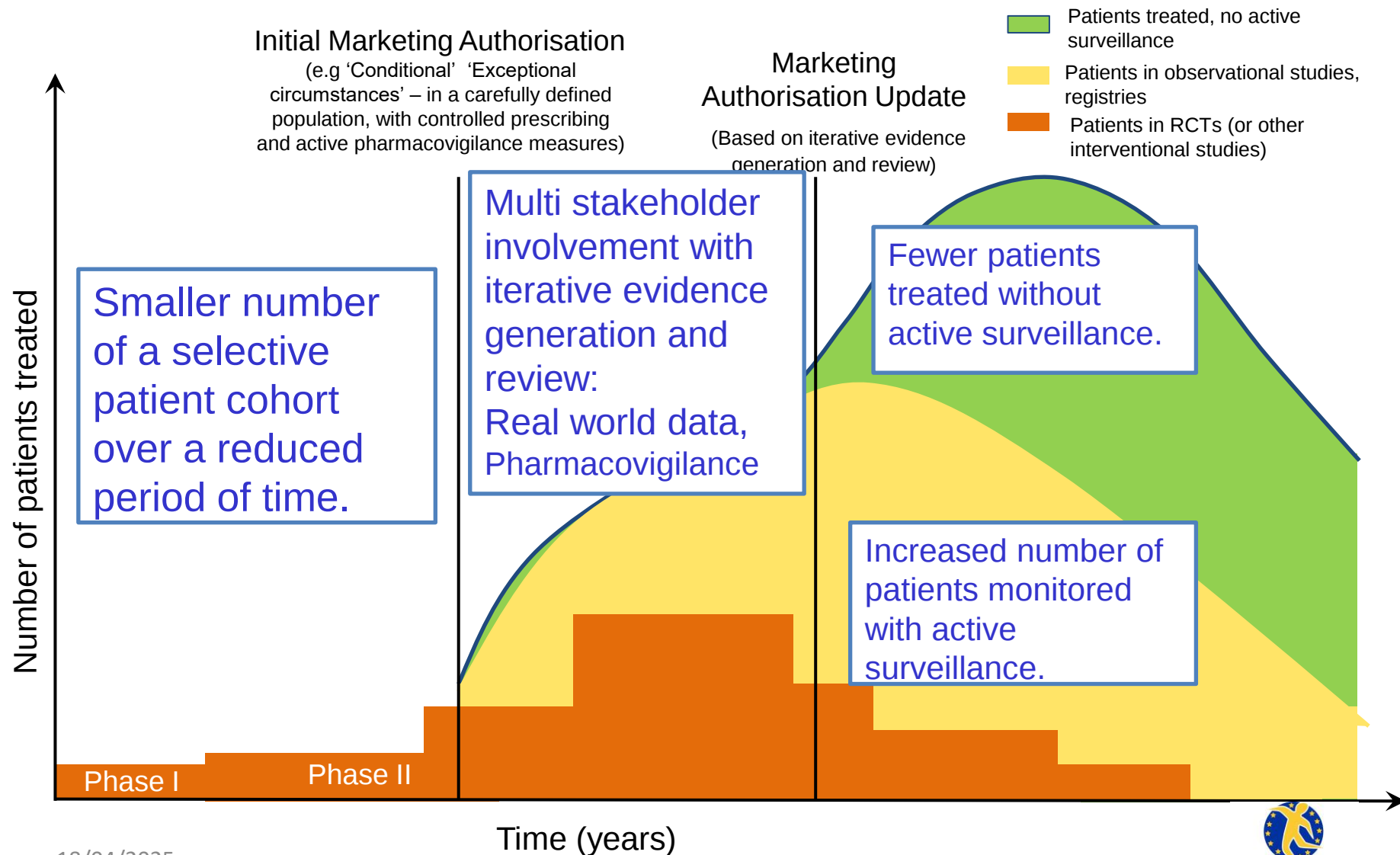






DEMAIN





Medicines Adaptive Pathways to Patients (MAPPs) : Un enjeu dans le développement du médicament de demain

- ✓ Demande des patients pour un accès rapide aux thérapeutiques
- ✓ Une médecine de plus en plus personnalisée donc fragmentation
- ✓ Tension sur les budgets et le remboursement des médicaments
- ✓ Politique du règlement orphelin et pérennité du système (sustainability)

Enjeux Éthiques

La Vulnérabilité

ÉQUITÉ / JUSTICE

Fonction du potentiel de
chacun: singularité
Une juste place pour tous

AUTONOMIE

Patient expert :
EMPOWERMENT
Capacité de faire choix
Partage expériences
Confiance en soi

NON MALFAISANCE

Singularité de la relation
Accompagnement de tous
les acteurs
Écoute
Empathie

BIENFAISANCE

Qualité des outils
Acquisition compétences
Entourage

Conclusion

Forte implication et partenariat entre tous les acteurs

Partager et prendre en compte l'expertise associative au sein de partenariats de recherche

Reconnaissance du rôle des associations de malades et des personnes malades

SÉCURITÉ

EFFICACITÉ

QUALITÉ DE VIE

Nouveau cadre pour les protocoles de recherche intégrant des recommandations

Renforcement des valeurs de L'Éthique

Les partenariats : vers un nouveau cadre pour un accompagnement éthique des protocoles de recherche pour plus d'autonomie, plus d'informations et de formations, plus d'équité.



Merci !

anne-sophie.lapointe@orange.fr

vml-asso.org